



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/285195/2017
EMA/H/C/004065

Sammanfattning av EPAR för allmänheten

Brineura

cerliponas alfa

Detta är en sammanfattning av det offentliga europeiska utredningsprotokollet (EPAR) för Brineura. Det förklarar hur EMA bedömt läkemedlet för att rekommendera godkännande i EU och villkoren för att använda det. Syftet är inte att ge några praktiska råd om hur Brineura ska användas.

Praktisk information om hur Brineura ska användas finns i bipacksedel. Du kan också kontakta din läkare eller apotekspersonal.

Vad är Brineura och vad används det för?

Brineura är ett läkemedel för behandling av neuronal ceroidlipofusinos typ 2 (CLN2), en ärftlig sjukdom hos barn som leder till progressiv hjärnskada.

Eftersom antalet patienter med CLN2 är litet betraktas sjukdomen som sällsynt och Brineura klassificerades som sär-läkemedel (ett läkemedel som används vid sällsynta sjukdomar) den 13 mars 2013.

Brineura innehåller den aktiva substansen cerliponas alfa.

Hur används Brineura?

Brineura infunderas direkt i hjärnan. Innan den första infusionen görs måste patienten genomgå en operation för att implantera en enhet som löper från skallens utsida till det vätskefyllda hålrummet i hjärnan som läkemedlet ska tillföras till.

Infusionerna ges en gång varannan vecka av en läkare med kunskap om hur man ger läkemedel direkt i hjärnan. För att minska risken för reaktioner vid infusionen kan patienterna få andra läkemedel före eller under behandlingen med Brineura, alternativt kan infusionshastigheten sänkas. Behandlingen kan fortsätta så länge patienten har nytta av den.



Läkemedlet är receptbelagt. Mer information finns i bipacksedeln.

Hur verkar Brineura?

Patienter med CLN2 har brist på ett enzym som krävs för normal hjärnutveckling och kallas tripeptidylpeptidas-1 (TPP1). Den aktiva substansen i Brineura, cerliponas alfa, är en kopia av TPP1 och används som ersättning för det saknade enzymet.

Läkemedlet infunderas direkt i hjärnan för att passera förbi blod-hjärnbarriären, en skyddsbarriär som skiljer blodströmmen från hjärnan, och förhindrar att substanser som t.ex. läkemedel kommer in i hjärnvävnaden.

Vilken nytta med Brineura har visats i studierna?

Brineura har i tidiga studier visat sig minska hastigheten med vilken sjukdomen förvärras, uppmätt med en bedömningskala av standardtyp.

I en studie där 23 barn (genomsnittsalder 4 år) behandlades med Brineura i nästan ett år, var det 20 av dem (87 %) som inte fick den försämring med 2 poäng i rörelse- och språkförmåga som förut setts hos patienter som inte behandlats.

Bedömningen gjordes av läkare som gav patienter individuella poäng för rörelse- och språkförmåga (där 0 betyder mest allvarligt och 3 är normalt). En patients slutpoäng var summan av de två poängen.

I en uppföljningsstudie varade nyttan med Brineura i ytterligare ett år, och resultaten visade att sjukdomen kunde bromsas hos de flesta av patienterna. Denna studie pågår fortfarande.

Vilka är riskerna med Brineura?

De vanligaste biverkningarna som orsakas av Brineura (kan uppträda hos fler än 1 av 5 personer) är feber, låga nivåer av protein i CSF (vätskan i hjärnan och ryggmärgen), avvikelser i EKG (ett test av hjärtats aktivitet), kräkning, övre luftvägsinfektioner (näs- och halsinfektioner) och reaktioner på grund av överkänslighet (allergi). En fullständig förteckning över biverkningar som rapporterats för Brineura finns i bipacksedeln.

Brineura ska inte ges till patienter som har haft livshotande reaktioner på grund av överkänslighet (allergi) med Brineura och vilkas symptom återkom när Brineura gavs igen. Det får inte heller ges till patienter som har fått ett rör implanterat för att tömma ut överskott på vätska från hjärnan. Slutligen får patienter inte ges Brineura medan det finns några problem med den implanterade enheten, till exempel läckage eller infektion.

Varför godkänns Brineura?

Tillgängliga data visar att Brineura bidrar till att bromsa försämringen av rörelse- och språkförmåga hos patienter med CLN2, ett tillstånd som det inte finns några andra behandlingar mot.

När det gäller dess säkerhet avslöjar data inga oacceptabla farhågor. Kommittén för humanläkemedel (CHMP) fann därför att nyttan med Brineura är större än riskerna och rekommenderade att Brineura skulle godkännas för försäljning i EU.

Brineura har godkänts enligt reglerna om "godkännande i undantagsfall". Detta beror på att det inte har varit möjligt att få fullständig information om Brineura eftersom sjukdomen är sällsynt. Europeiska läkemedelsmyndigheten kommer att granska ny information om produkten varje år och uppdatera denna sammanfattning när det behövs.

Vilken information om Brineura saknas för närvarande?

Eftersom Brineura har godkänts enligt reglerna om godkännande i undantagsfall, kommer företaget som marknadsför det att tillhandahålla ytterligare data från säkerhetsstudier för Brineura, inklusive risken för allergiska reaktioner vid långvarig användning, och om dess långsiktiga effektivitet när det gäller att bromsa eller stoppa försämring av rörelse- och språkförmåga. Studierna kommer att innefatta barn under 2 år, för vilka det för närvarande saknas data.

Vad görs för att garantera säker och effektiv användning av Brineura?

Företaget som marknadsför Brineura kommer att säkerställa att all hälso- och sjukvårdspersonal som väntas använda detta läkemedel förses med utbildningsmaterial om hur det ska användas och hur man ska undvika problem med den implanterade enheten såsom infektion eller blockering.

Rekommendationer och försiktighetsåtgärder som hälso- och sjukvårdspersonal och patienter ska iaktta för säker och effektiv användning av Brineura har också tagits med i produktresumén och bipacksedeln.

Mer information om Brineura

EPAR för Brineura finns i sin helhet på EMA:s webbplats [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Mer information om behandling med Brineura finns i bipacksedeln (ingår också i EPAR). Du kan också kontakta din läkare eller apotekspersonal.

Sammanfattningen av ställningstagandet om Brineura från kommittén för sär läkemedel finns på EMA:s webbplats [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).